

Metabolismo, Sistemas Modelo y Terapias para la ELA. Tercer Encuentro Internacional de Investigación en ELA en España

Metabolism, Model Systems and Therapies for ALS

Madrid, 2 de julio / July 2 2019

ABSTRACT

Modelos murinos de ELA

Abraham Acevedo Arozena

La enfermedad de las neuronas motoras, también conocida como Esclerosis Lateral Amiotrófica (ELA), es una forma de neurodegeneración implacable de aparición en la mediana edad que actualmente es incurable. Comienza de manera focal y conduce a la parálisis y la muerte, generalmente dentro de los 3 años posteriores al diagnóstico. Los modelos de ratón son críticos para mejorar nuestra comprensión de los procesos de la enfermedad. Para tratar de recapitular fielmente la patogenia de la enfermedad, tenemos un interés a largo plazo en la creación de modelos de ELA en ratones (KI).

Aquí, junto con información sobre otros modelos que han sido producidos en otros laboratorios, presentamos datos de modelos Knock In (KI) de tres genes clave para la ELA (Sod1, Tardbp y Fus) desarrollados por nosotros en los últimos años: el ratón Sod1D83G; el ratón FUS Delta14; un conjunto alélico de mutantes Tardbp (TDP-43). Sin embargo, todavía hay muchos desafíos, particularmente sobre cómo mejorar la traducción a la clínica.